

# **Médicament pédiatrique : défis d'un développement précoce**

## **Introduction**

Le développement de médicaments pour les enfants représente un défi tant sur le plan scientifique que réglementaire. Les chercheurs doivent déterminer le moment propice pour introduire un nouveau médicament candidat à usage pédiatrique, décision qui requiert une discussion et une planification attentives.

## **Quand doit débuter le développement pédiatrique ?**

Avant qu'un nouveau médicament soit étudié chez l'Homme, il a déjà fait l'objet d'un grand nombre de recherches, y compris chez l'animal. Les premières études chez l'Homme portent sur la sécurité du médicament chez les adultes, puis s'emploient à déterminer si le médicament agit (c'est ce que l'on appelle la « preuve de concept ») avant de débuter des études de confirmation de plus grande ampleur, destinées à renseigner sur la sécurité et l'efficacité. À un certain moment au cours de ces études cliniques, le développement pédiatrique du médicament doit être envisagé et éventuellement débuter.

Le moment précis de cette discussion dépend de chaque projet, mais il doit toujours avoir lieu au début des discussions sur le développement, afin de donner suffisamment de temps pour les diverses activités telles que le développement de nouvelles formulations ou la conduite des essais cliniques et non cliniques appropriés. Le moment propice pour inclure le

développement de médicaments à usage pédiatrique dépend souvent de la maladie à traiter et du besoin non satisfait et du caractère innovant (nouveau) ou non du médicament ou de son appartenance ou non à une classe de médicaments dont le mécanisme est déjà bien connu. Il dépend également des exigences des agences réglementaires ; il se situe par exemple généralement plus tôt dans l'UE qu'aux États-Unis. Les accords entre l'UE et les États-Unis peuvent aussi varier.

## **Législation sur le développement de médicaments à usage pédiatrique**

Dans l'UE, une seule législation gouverne le développement et l'autorisation de mise sur le marché de médicaments à usage pédiatrique.<sup>1</sup> Cette législation exige que les enfants soient inclus plus tôt dans le développement des médicaments : elle impose qu'un plan d'investigation pédiatrique (PIP) soit soumis une fois les premières études achevées chez l'Homme, lorsque l'on commence à comprendre l'effet du médicament. La législation prévoit également des incitations pour les entreprises qui se conforment à ces obligations et soumettent leurs PIP en temps voulu.

Idéalement, en particulier lorsqu'un médicament a le potentiel pour être utilisé dans les populations adulte et pédiatrique, le promoteur essaiera de mener le développement pédiatrique à peu près en même temps que les études cliniques conduites sur le médicament chez des adultes humains. Cela signifierait que le médicament serait disponible pour les enfants en même temps, ou peu de temps après sa disponibilité pour les adultes. Bien que la discussion se tienne en parallèle, il peut en résulter des plans de développement adulte et pédiatrique échelonnés.

# Références

1. European Parliament (2006). *Regulation (EC) No 1901/2006 of the European Parliament and of the Council of 12 December 2006 on medicinal products for paediatric use*. Retrieved 11 July, 2021, from <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/f02fd0de-82a9-42d8-9cd1-723176bb5ce0>
2. European Parliament (2006). *Regulation (EC) No 1902/2006 of the European Parliament and of the Council of 20 December 2006 amending Regulation 1901/2006 on medicinal products for paediatric use*. Retrieved 11 July, 2021, from <https://op.europa.eu/en/publication-detail/-/publication/962e5f1e-9acf-4862-8b1b-1d5b01c8265e>

A2-1.18.3-v1.3